

Resumen de los resultados
finales del ensayo clínico
FIREFISH, cuyo objetivo es
determinar la eficacia y la
seguridad de risdiplam en
niños con AME de tipo 1



Véase el título completo del estudio al final del documento

Información general sobre el estudio

¿Quién podía participar en el estudio?

¿Qué sucedió durante el estudio?

¿Cuáles fueron los resultados del estudio?

¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

¿Qué aprendimos del estudio?

¿Dónde puedo encontrar más información?



Acerca de este resumen

Este resumen ofrece los resultados de un ensayo clínico (denominado “estudio” en este documento). Se ha redactado para el público y para las personas que participaron en el estudio.

El estudio **FIREFISH** (NCT02913482) se inició en diciembre de 2016 y finalizó en diciembre de 2023. Este resumen se redactó una vez finalizado el estudio. El fármaco que se investigó en este estudio fue risdiplam.

El estudio **FIREFISH** alcanzó sus objetivos (criterios de valoración) en noviembre de 2019, cuando el último participante que se incorporó al estudio completó 1 año de tratamiento con risdiplam. En este documento se resumen los resultados finales del estudio **FIREFISH** tras su finalización.

Este resumen contiene la siguiente información:

Información general sobre el estudio

¿Quién podía participar en el estudio?

¿Qué sucedió durante el estudio?

¿Qué resultados se obtuvieron?

¿Cuáles fueron los efectos secundarios?

¿Qué aprendimos del estudio?

¿Dónde puedo encontrar más información?

En los documentos anteriores se resumen los resultados del estudio **FIREFISH** después de que los niños hubieran completado 1 año y 2 años de tratamiento con risdiplam.

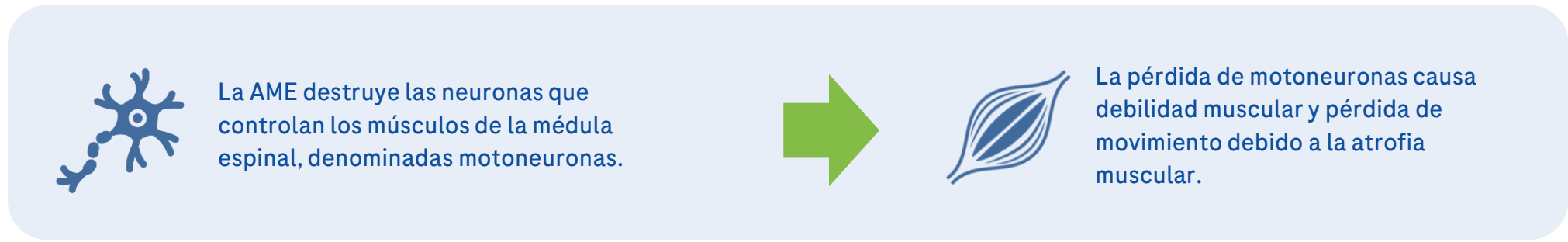
Haga clic [aquí](#) para ver el resumen de 1 año.

Haga clic [aquí](#) para ver el resumen de los 2 años



¿Qué es la AME?

La atrofia muscular espinal (AME) es un trastorno neuromuscular genético raro, que destruye las células nerviosas que controlan los músculos, llamadas motoneuronas.



Las personas con AME tienen dificultades para realizar las funciones básicas de la vida, como respirar y tragar.

La gravedad de la AME varía de unas personas a otras y depende de una serie de factores, como la edad a la que comienzan los síntomas. Existen cinco tipos de AME, según la edad a la que comienzan los síntomas y el máximo hito físico alcanzado (como ser capaz de sentarse o caminar).

Tipos de AME

Tipo	Edad de inicio de los síntomas	Efectos sobre la capacidad muscular y motora
0	Antes del nacimiento	Los bebés no se mueven activamente en el útero y nacen con debilidad muscular grave
1	Nacimiento hasta los 6 meses	Los niños nunca podrán sentarse de forma independiente
2	De 6 a 18 meses	Los niños suelen ser capaces de sentarse, y algunos pueden ponerse de pie con ayuda, pero no son capaces de caminar
3	De 18 meses en adelante	Los niños pueden caminar, pero pueden perder esta capacidad con el tiempo
4	De 18 años en adelante	Este tipo de AME aparece en la edad adulta. Este es el tipo de AME menos grave.

AME: atrofia muscular espinal.



¿Por qué se realizó este estudio?

Cuando se inició este estudio, no había tratamientos disponibles para las personas con AME.

Los objetivos de los nuevos tratamientos son tratar la causa subyacente de la AME, ayudar a las personas con AME a vivir más tiempo, reducir los síntomas generales, mantener la capacidad de movimiento (motricidad) y mejorar la calidad de vida.

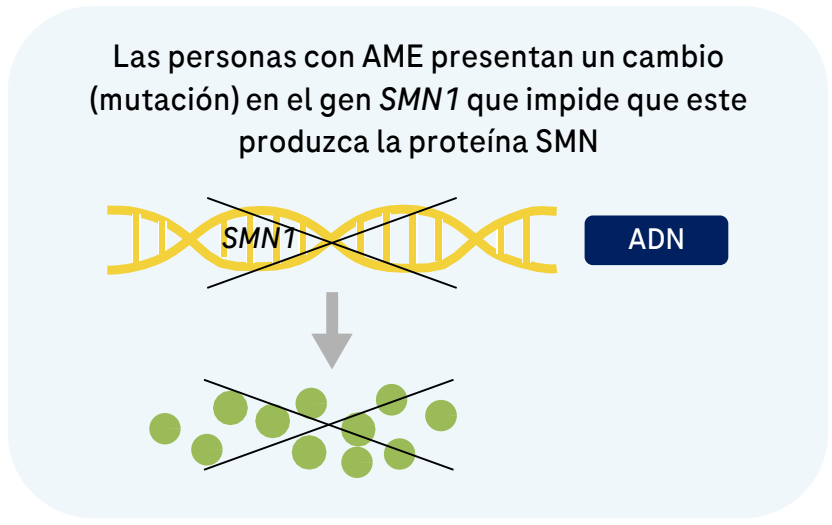
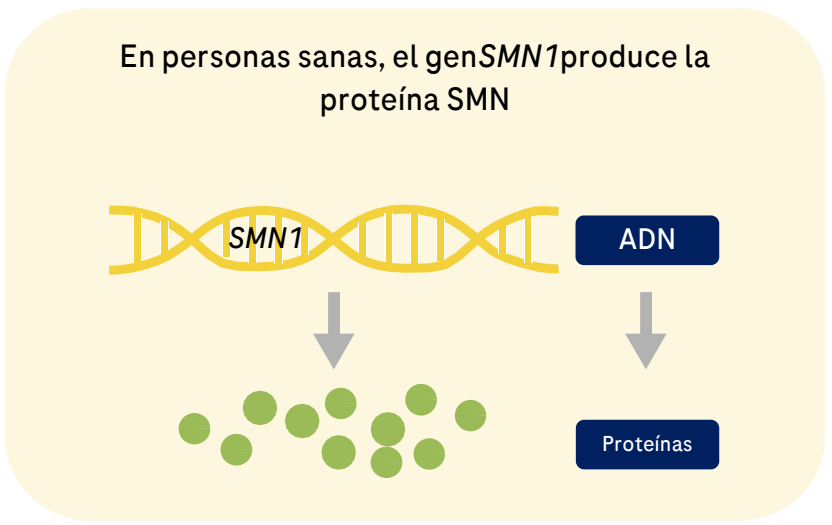
El estudio **FIREFISH** se llevó a cabo para conocer la seguridad y la eficacia (en qué medida funciona un tratamiento) de risdiplam en bebés con AME de tipo 1, de entre 1 y 7 meses de edad cuando entraron en el estudio.

¿Cuál es la causa de la AME? (1/2)

La AME está causada por niveles bajos de una proteína llamada "supervivencia de las motoneuronas", también llamada proteína SMN (survival of motor neuron).

La proteína SMN es esencial para el funcionamiento de los nervios que controlan los músculos. Sin concentraciones suficientemente altas de proteína SMN, estos nervios dejan de funcionar correctamente (degeneran) y finalmente mueren, lo que hace que los músculos se debiliten y se atrofien.

La proteína SMN está producida principalmente por un gen llamado "supervivencia de las motoneuronas 1" (también llamado *SMN1*).



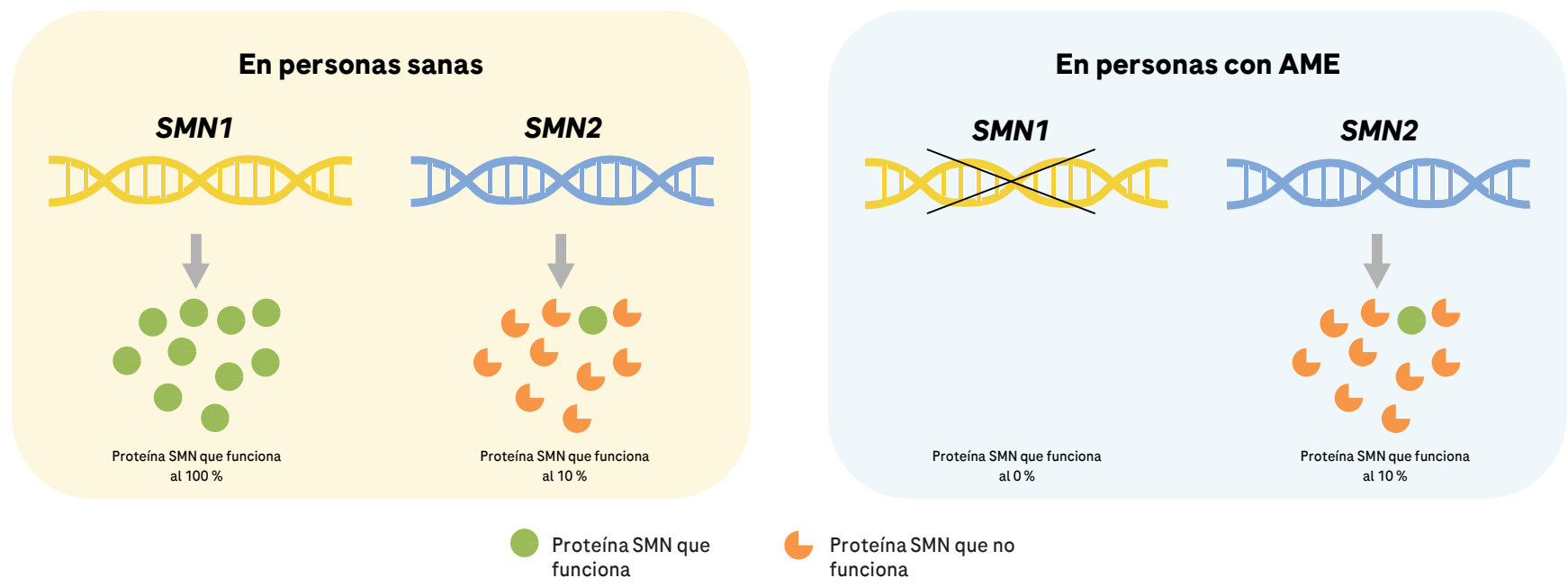
● Proteína SMN que funciona

¿Cuál es la causa de la AME? (2/2)

Los seres humanos tienen un gen similar llamado supervivencia de las motoneuronas 2 (también llamado *SMN2*) que puede actuar como un gen de "reserva" para producir la proteína SMN. Quienes padecen AME necesitan utilizar el *SMN2* para producir la proteína SMN, ya que no tienen el *SMN1*.

Sin embargo, solo aproximadamente 1 de cada 10 (el 10 %) de las proteínas SMN producidas por el *SMN2* funciona correctamente. Esto no basta para compensar la pérdida del gen *SMN1*.

Cuanto más copias del gen *SMN2* tenga una persona, más proteína SMN puede producir, lo que hace que los síntomas de la AME sean menos graves.



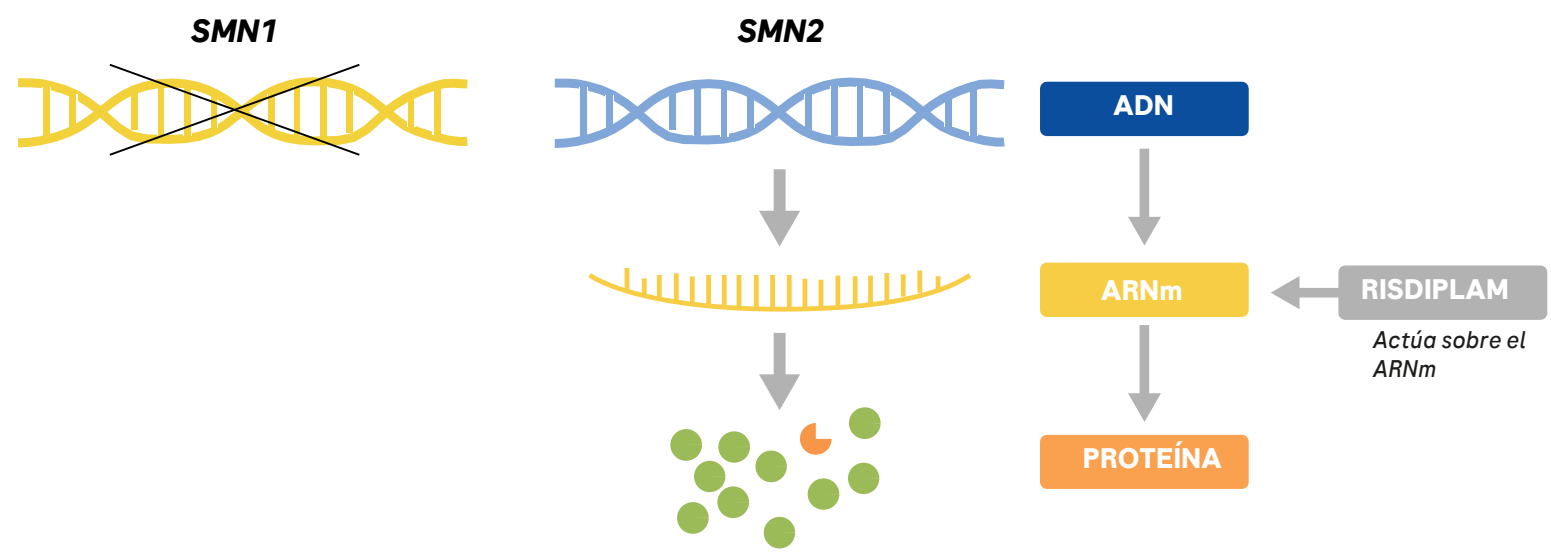
¿Qué es risdiplam y cómo funciona?

Risdiplam es el fármaco que se estudió en el estudio **FIREFISH**.

Risdiplam es un líquido que se administra una vez al día por vía oral o mediante una sonda de alimentación para las personas con dificultades para tragar.

Risdiplam está diseñado para ayudar al gen *SMN2* a producir más proteína SMN funcional para mantener y mejorar el funcionamiento muscular.

Las instrucciones del gen *SMN2* son defectuosas, y la mayor parte de la proteína SMN producida no funciona. Risdiplam actúa sobre las instrucciones (ARNm) del gen *SMN2* para producir una proteína SMN más eficaz.



SMN: supervivencia de las motoneuronas.

● Proteína SMN que funciona |
 ● Proteína SMN que no funciona



¿Qué querían averiguar los investigadores?

El estudio **FIREFISH** tenía por objeto responder preguntas de investigación sobre risdiplam.

Para conocer los efectos de risdiplam, el estudio incluyó varias mediciones de resultados (criterios de valoración).

Los criterios de valoración son mediciones específicas que utilizan los investigadores para evaluar los efectos de un tratamiento del estudio.

- **Los criterios principales de valoración** se utilizan para responder a la pregunta principal de investigación del estudio. El estudio se considera exitoso si estos resultados o acontecimientos se producen en un momento determinado del estudio (se satisface el criterio principal de valoración).
- **Los criterios secundarios y exploratorios de valoración** proporcionan información adicional para ayudar a los investigadores a comprender los efectos del tratamiento estudiado.

El estudio **FIREFISH** se dividió en dos partes.

¿Qué querían averiguar los investigadores en la parte 1 del estudio FIREFISH?

¿Cuál era la pregunta principal (el **criterio principal de valoración**) que los investigadores querían averiguar en la **parte 1 del estudio FIREFISH**?

La dosis recomendada de risdiplam para el tratamiento de bebés de entre 1 y 7 meses de edad con AME de tipo 1 para su uso en la **parte 2 del estudio FIREFISH**.

- Para medirla, los investigadores analizaron los niveles de risdiplam en sangre de los bebés participantes en el estudio y determinaron la cantidad de proteína SMN que tenían.
- La dosis seleccionada debía ser segura y dar lugar a un aumento significativo de las concentraciones de proteína SMN.

¿Qué querían averiguar los investigadores en la parte 2 del estudio FIREFISH?

- La dosis de risdiplam seleccionada en la **parte 1 del estudio FIREFISH** se administró a todos los bebés en la **parte 2**.
- ¿Cuál era la pregunta principal (el criterio principal de valoración) que los investigadores querían averiguar en la **parte 2 del estudio FIREFISH**?

El **criterio principal de valoración** de la parte 2 del estudio **FIREFISH** era investigar la eficacia de risdiplam (es decir, en qué medida funciona risdiplam).

- Esto se evaluó como el porcentaje de niños que podían permanecer sentados sin apoyo durante al menos 5 segundos después de 1 año de tratamiento con risdiplam.
 - Se eligió este criterio de valoración porque los niños con AME de tipo 1 que no reciben tratamiento no suelen poder sentarse sin apoyo

¿Qué querían averiguar los investigadores durante los 5 años del estudio FIREFISH?

- Una vez alcanzados los **criterios principales de valoración** en las **partes 1 y 2 del estudio FIREFISH**, todos los niños podían continuar en el estudio durante un máximo de 5 años.
- ¿Qué otras cuestiones importantes (los criterios **secundarios y exploratorios de valoración**) querían averiguar los investigadores del estudio **FIREFISH** a lo largo de todo el periodo de 5 años?

Los criterios secundarios y exploratorios de valoración investigaron cuántos niños:

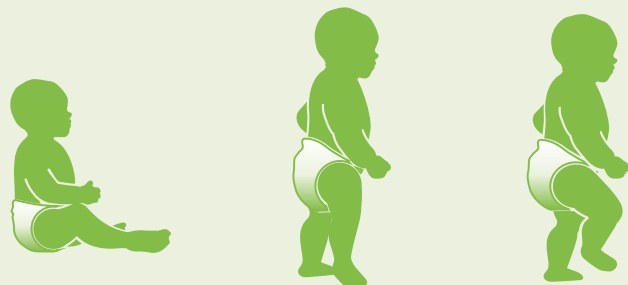
- vivían
- eran capaces de alimentarse por vía oral
- alcanzaban hitos del movimiento (motores)
- experimentaban efectos secundarios

¿Cómo midieron los investigadores la capacidad física de los niños del estudio FIREFISH?

La capacidad física se refiere a lo bien que un niño puede utilizar diferentes partes de su cuerpo para alcanzar hitos como sentarse, ponerse de pie y caminar.

En el estudio **FIREFISH** se utilizaron diferentes pruebas (criterios de valoración) para evaluar a los niños que recibieron risdiplam.

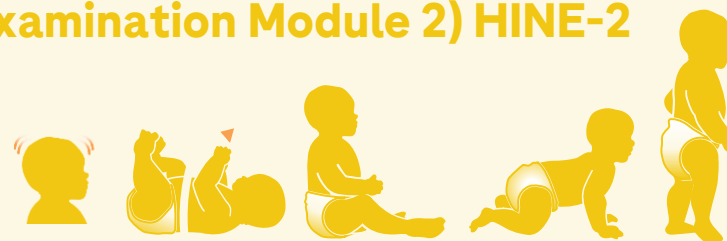
Las Escalas Bayley de desarrollo infantil, tercera edición (BSID-III)



La **BSID-III** mide en qué medida realizan los niños distintas actividades (como sentarse, ponerse de pie y caminar) en comparación con otros niños de la misma edad.

¿Por qué esta prueba? Se trata de una herramienta para diagnosticar retrasos en el desarrollo de niños de entre 1 y 42 meses de edad.

El módulo 2 del Examen neurológico infantil de Hammersmith (Hammersmith Infant Neurological Examination Module 2) HINE-2



La escala **HINE-2** mide si los niños pueden alcanzar hitos como levantar la cabeza, sentarse, rodar, ponerse de pie y caminar.

¿Por qué esta prueba? Esta prueba evalúa si un niño puede alcanzar hitos de movimiento (motores) apropiados para su edad.

Para ver más información sobre estas mediciones de movilidad, consulte el folleto "[Comprender la MFM y la SMAIS en el contexto de las mediciones de resultados en la AME](#)".

BSID-III: Bayley Scales of Infant and Toddler Development, tercera edición; HINE-2: Hammersmith Infant Neurological Examination, módulo 2; AME: atrofia muscular espinal.

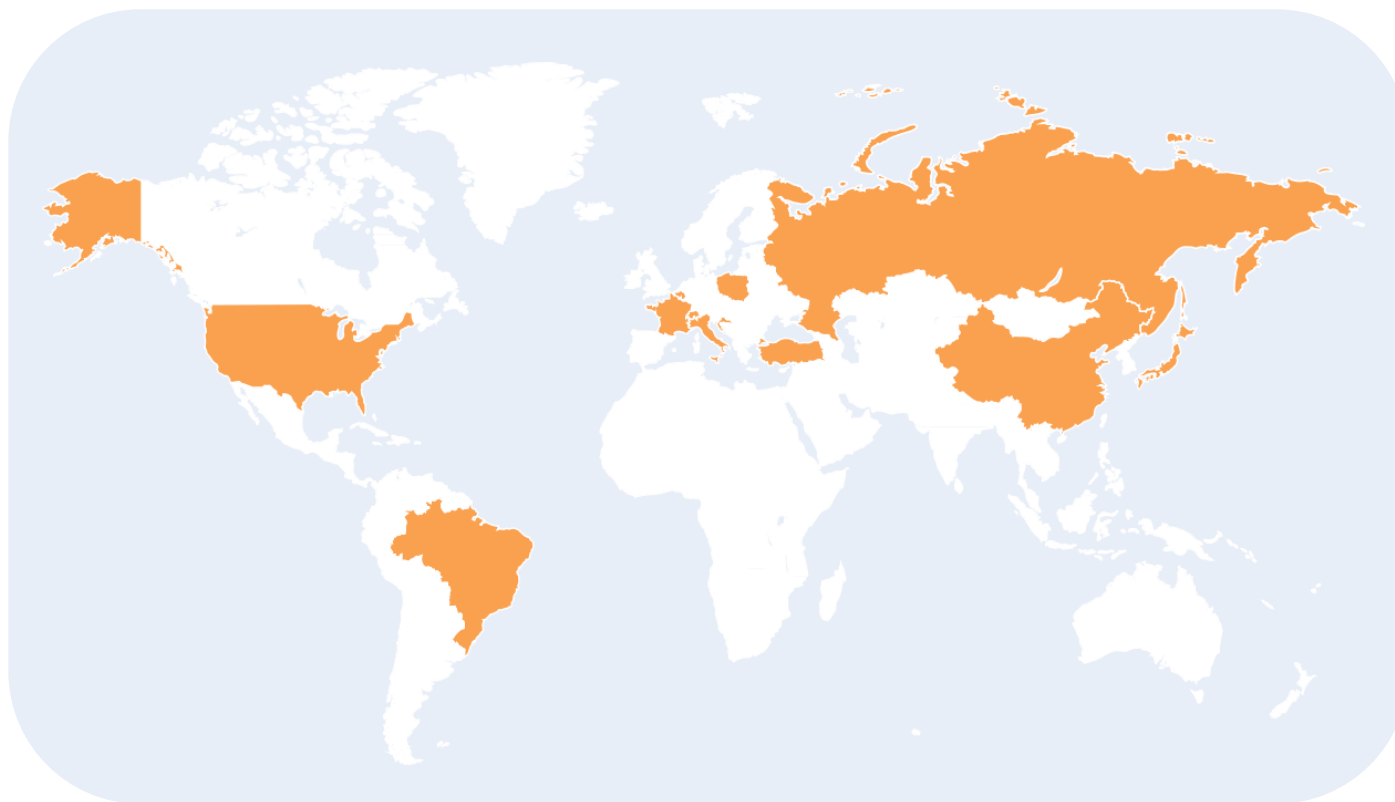
¿Cuándo y dónde tuvo lugar este estudio?

El estudio **FIREFISH** comenzó en diciembre de 2016 y finalizó en diciembre de 2023, cuando todos los niños participantes habían completado hasta 5 años de tratamiento con risdiplam. Este resumen se redactó una vez finalizado el estudio.

FIREFISH fue un estudio internacional que se llevó a cabo en 17 hospitales de 12 países. En el mapa siguiente se muestra dónde tuvo lugar el estudio.

Los países en los que tuvo lugar FIREFISH fueron:

- Bélgica
- Brasil
- China
- Croacia
- Francia
- Italia
- Japón
- Polonia
- Rusia
- Suiza
- Turquía
- EE. UU.



¿Quién podía participar en el estudio?

En el estudio **FIREFISH** participaron bebés de entre 1 y 7 meses de edad en el momento en que se incorporaron al estudio. A todos se les había diagnosticado AME.

Los principales requisitos para la participación de bebés en el estudio fueron los siguientes:

Criterios principales de inclusión	Criterios principales de exclusión
<p>Los bebés podían participar en el estudio si:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Habían presentado síntomas de AME a una edad de entre 1 y 3 meses • Se habían sometido a una prueba que había confirmado que tenían AME (un diagnóstico genético) • Tenían dos copias del gen <i>SMN2</i> • Se habían recuperado de alguna enfermedad de corta duración en el momento de la selección del estudio, y se consideraba que estaban lo bastante bien para participar 	<p>Los bebés no podían participar en el estudio si:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Habían participado en otro ensayo clínico en los 3 meses anteriores • Habían recibido previamente un tratamiento farmacológico para la AME o terapia génica o celular • Necesitaban apoyo médico significativo para respirar durante más de 16 horas al día • Habían sufrido recientemente alguna urgencia que haya requerido pasar la noche en el hospital o alguna enfermedad grave de la que no se hubiesen recuperado totalmente

Pueden consultarse todos los detalles de los criterios de inclusión/exclusión en: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685>.

¿Cómo se diseñó el estudio FIREFISH?

El **estudio FIREFISH** fue un estudio "**sin enmascaramiento**":

- "**Sin enmascaramiento**" significa que todas las personas implicadas en el estudio, incluidos los niños participantes, sus familias y los médicos del estudio, sabían qué tratamiento se administraba al participante.
- Todas las personas que participaron en el estudio recibieron risdiplam.
- Los participantes recibieron risdiplam durante 2 años en la parte principal del estudio.
- Una vez finalizada la parte principal del estudio, los participantes podían optar por seguir recibiendo risdiplam durante 3 años más (lo que se denomina periodo de prolongación sin enmascaramiento).

FIREFISH se diseñó en dos partes:

- **En la parte 1** se analizaron diferentes dosis de risdiplam para encontrar la mejor dosis para administrar a los bebés con AME de tipo 1.
- **En la parte 2** se midieron la eficacia (en qué medida funcionaba el tratamiento) y la seguridad de risdiplam en bebés con AME de tipo 1. A los bebés que recibieron risdiplam en la parte 2 se les administró la dosis seleccionada en la parte 1.

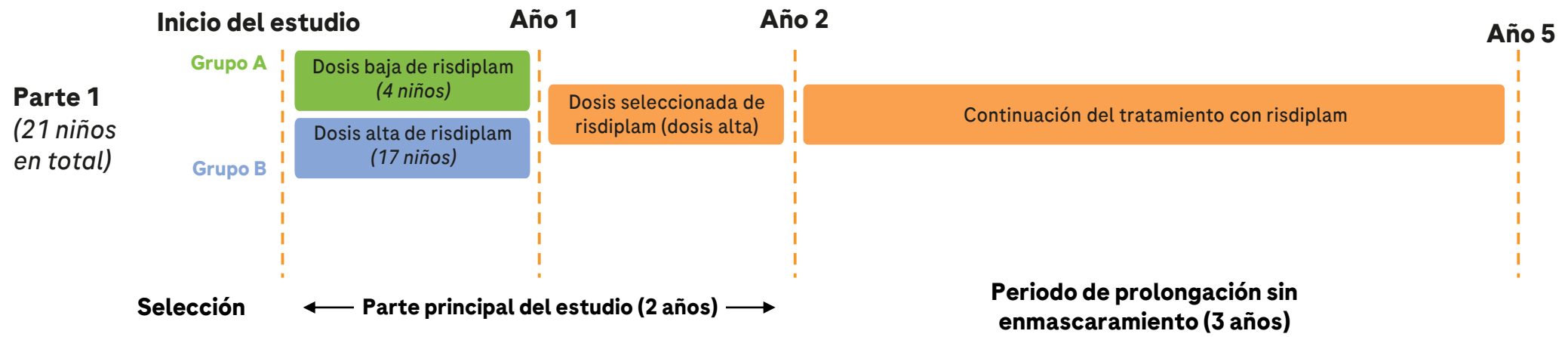
En las partes 1 y 2 participaron niños diferentes: los que participaron en la parte 1 no participaron en la parte 2.

¿Qué ocurrió durante la parte 1 del estudio FIREFISH?

La **parte 1 del estudio FIREFISH** tenía como objetivo encontrar la mejor dosis de risdiplam para bebés con AME de tipo 1. Esta dosis debía utilizarse durante el resto del estudio.

Los participantes se dividieron en dos grupos y recibieron dosis diferentes de risdiplam.

- **Al grupo A** (un total de **4 bebés**) se le administró una **dosis baja** de risdiplam
- **Al grupo B** (un total de **17 bebés**) se le administró una **dosis más alta** de risdiplam



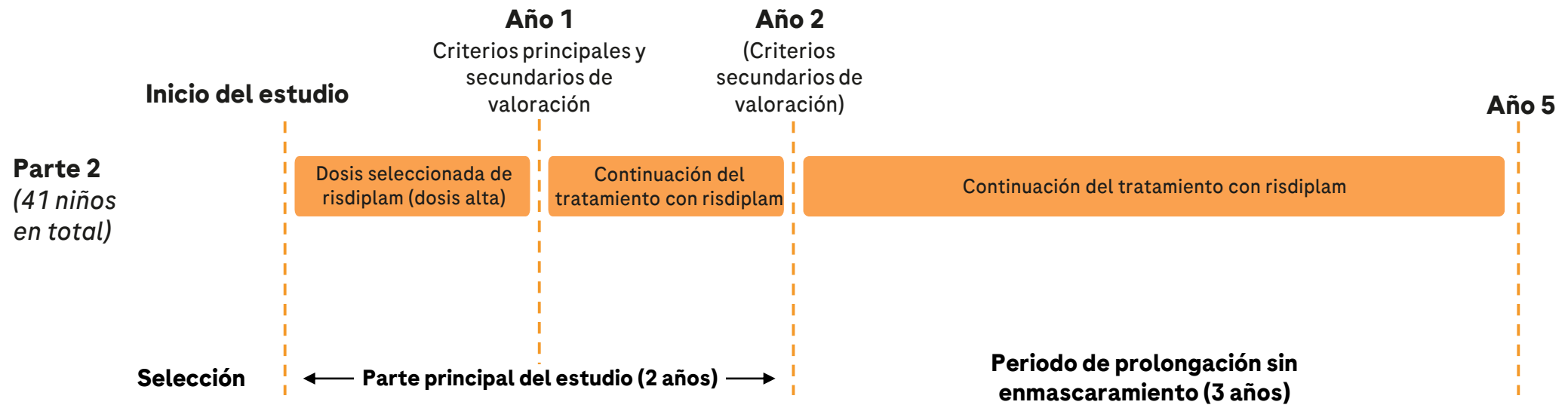
La dosis seleccionada en la **parte 1 del estudio FIREFISH** se utilizó en la **parte 2** y en el periodo de prolongación sin enmascaramiento.

Los cuatro niños que recibieron la dosis baja de risdiplam pasaron a recibir la dosis alta al cabo de 1 año y pudieron continuar en el ensayo durante un máximo de 5 años.

¿Qué ocurrió durante la parte 2 del estudio FIREFISH?

La parte 2 del estudio FIREFISH tenía por objeto averiguar en qué medida era eficaz risdiplam en el tratamiento de los bebés con AME de tipo 1.

- La dosis de risdiplam seleccionada en la parte 1 (la dosis más alta) se administró a todos los bebés en la parte 2.

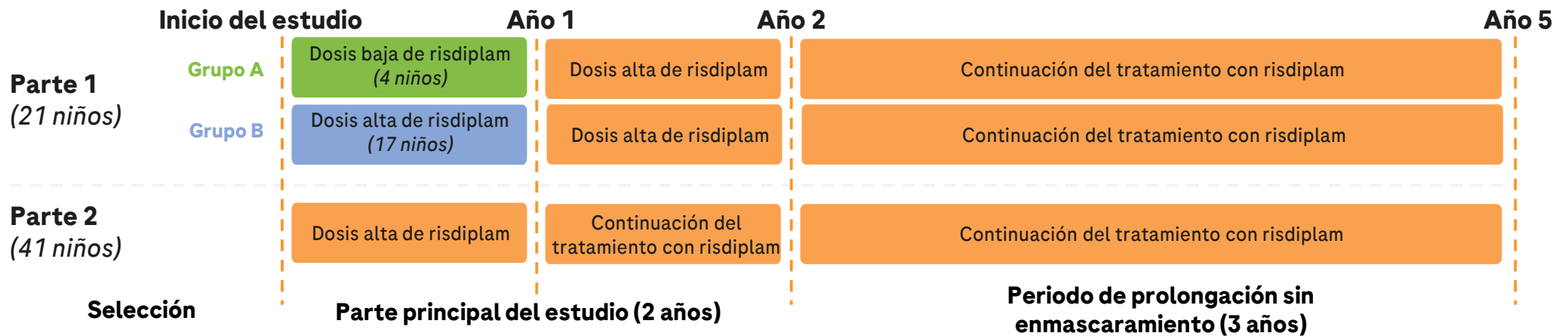


En las partes 1 y 2 participaron niños diferentes: los que participaron en la parte 1 no participaron en la parte 2.

¿Qué ocurrió durante los 5 años del estudio FIREFISH?

Después de que los niños de la **parte 1** y la **parte 2** del estudio **FIREFISH** hubieran completado 2 años de tratamiento con risdiplam, pasaron al periodo de prolongación sin enmascaramiento.

Durante esta parte del estudio, todos los niños recibieron la dosis más alta de tratamiento con risdiplam durante 3 años más.



- Los niños que recibieron la dosis más alta desde el inicio del estudio (**parte 1 del estudio FIREFISH**, grupo B y todos los niños de la **parte 2 del estudio FIREFISH**) se pueden agrupar en un grupo más amplio llamado "**población agrupada**".
- El análisis de los resultados de la población agrupada más numerosa aporta pruebas más sólidas que si cada grupo se evaluara por sí solo. Esto significa que los investigadores pueden confiar más en las conclusiones a las que llegan sobre el tratamiento con risdiplam.

Se notificarán para la población agrupada todos los resultados quinquenales del estudio FIREFISH.

¿Cuáles eran las características de los bebés en la parte 1 y la parte 2 del estudio FIREFISH antes de iniciar el tratamiento?

Parte 1: 21 bebés inscritos



El 29 %
(6 de 21 bebés)
eran varones



El 71 %
(15 de 21 bebés)
eran niñas



La edad promedio de inicio de los síntomas fue de 1,9 meses

6

La edad promedio en el momento de la inclusión fue de 5,8 meses

Parte 2: 41 bebés inscritos



El 46 %
(19 de 41 bebés)
eran varones



El 54 %
(22 de 41 bebés)
eran niñas



La edad promedio de inicio de los síntomas fue de 1,6 meses

5

La edad promedio en el momento de la inclusión fue de 5,2 meses

¿Cuáles fueron los resultados principales de la parte 1 del estudio FIREFISH?

Con la principal pregunta de investigación (**criterio principal de valoración**) de la **parte 1 del estudio FIREFISH** se buscaba decidir la dosis recomendada de risdiplam para el tratamiento de los bebés con AME de tipo 1.

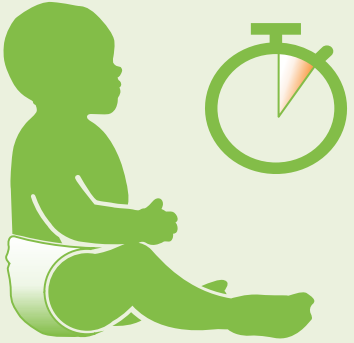
- Se eligió la dosis alta de risdiplam para la parte 2 porque aumentaba la concentración de proteína SMN sin causar efectos secundarios graves.
- Una vez elegida la dosis para la parte 2, todos los participantes de la **parte 1 del estudio FIREFISH** pasaron a recibir la misma dosis de risdiplam hasta la finalización del estudio.

¿Cuáles fueron los resultados principales de la parte 2 del estudio FIREFISH?

El objetivo principal (el **criterio principal de valoración**) de la **parte 2 del estudio FIREFISH** era investigar la eficacia de risdiplam (en qué medida funciona risdiplam).

Se seleccionó la capacidad de estar sentado como la mejor manera de medirla, ya que los niños con AME de tipo 1 no tratados no suelen alcanzar este hito.

Los investigadores analizaron los resultados una vez que todos los bebés participantes de la **parte 2 del estudio FIREFISH** habían completado 1 año de tratamiento.



Después de 1 año, los investigadores utilizaron la escala BSID-III para evaluar si los bebés podían estar sentados sin apoyo durante al menos 5 segundos

29 %
(12 de 41 bebés)

podían estar sentados sin apoyo durante al menos 5 segundos.

En un documento anterior se resumen los resultados del estudio **FIREFISH** después de que los bebés hubieran completado 1 año de tratamiento con risdiplam. Haga clic [aquí](#) para ver el resumen de 1 año.

Para obtener más información sobre la BSID-III, consulte el folleto "[Comprender la MFM y la SMAIS en el contexto de las mediciones de resultados en la AME](#)".

Los niños de la parte 1 y la parte 2 del estudio **FIREFISH** recibieron tratamiento con la dosis elegida de risdiplam durante un máximo de 5 años.

El **estudio FIREFISH** ya ha finalizado.

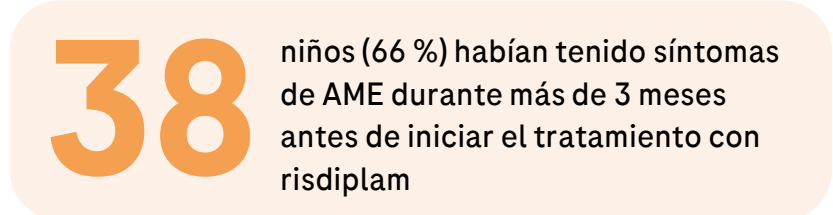
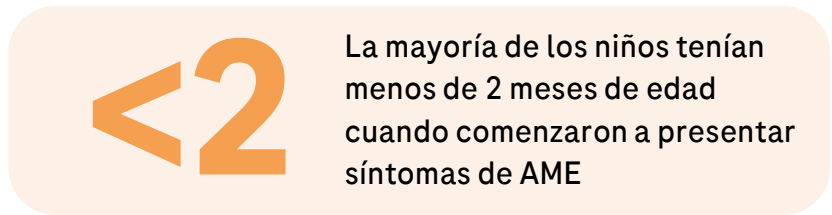
Los siguientes resultados aportan datos sobre la eficacia (en qué medida funciona risdiplam) y la seguridad (efectos secundarios) en la población agrupada del estudio **FIREFISH** después de 5 años de tratamiento.

Todos estos niños recibieron la dosis final elegida (es decir, la dosis alta) desde el inicio del ensayo.

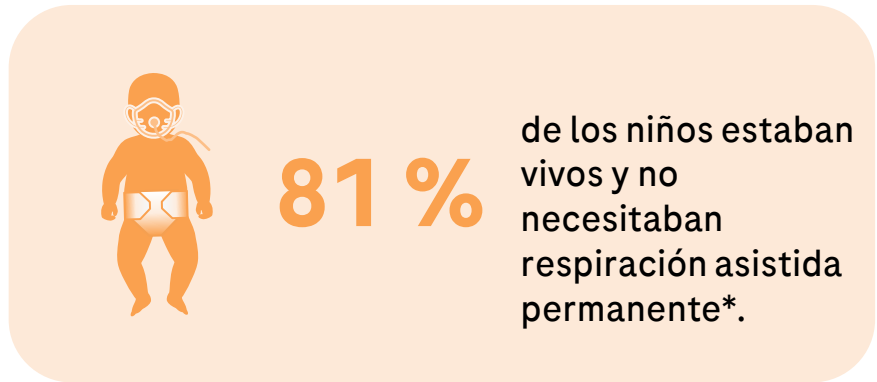
¿Cuáles eran las características de los niños antes de iniciar el tratamiento en el estudio FİREFİSH?

Se realizaron evaluaciones al principio del estudio (inicio) antes de administrar risdiplam. La población agrupada incluía los 17 niños de la parte 1 y los 41 niños de la parte 2 a los que se administró la dosis alta de risdiplam.

Población agrupada (58 niños)



¿Cuáles fueron los resultados de la población agrupada después de 5 años de tratamiento?



*La respiración asistida permanente se define como **traqueostomía** o **BiPAP** (bipresión positiva en las vías respiratorias) durante al menos 16 horas al día de forma continua durante más de 3 semanas o **intubación** continua durante más de 3 semanas, en ausencia de acontecimientos agudos reversibles o tras su resolución.
La traqueostomía es un procedimiento en el que se inserta un tubo a través del cuello hasta la tráquea. Esto ayuda a que el aire entre en los pulmones.
La BiPaP es una máquina que ayuda a respirar usando una mascarilla.
La intubación consiste en la introducción de un tubo a través de la boca hasta la tráquea. Esto ayuda a que el aire entre en los pulmones.

¿Cuántos niños podían estar sentados sin apoyo después de 5 años de tratamiento con risdiplam ?

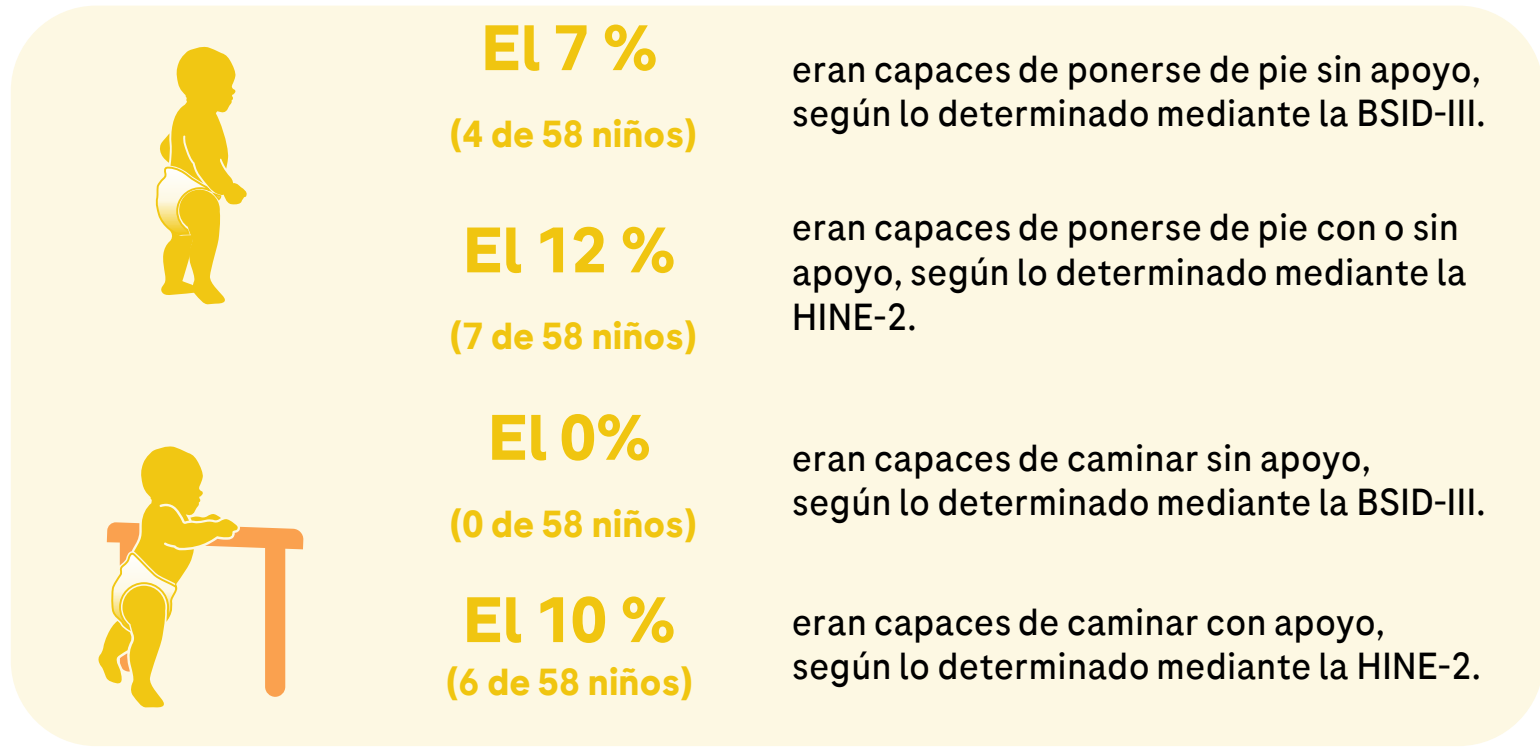


Para obtener más información sobre las mediciones de la capacidad física, consulte el folleto "[Comprender la MFM y la SMAIS en el contexto de las mediciones de resultados en la AME](#)".

BSID-III, Escalas Bayley del desarrollo infantil, tercera edición; HINE-2, Examen neurológico infantil de Hammersmith, módulo 2.



¿Cuántos niños podían ponerse de pie y caminar después de 5 años de tratamiento con risdiplam?



Para obtener más información sobre las mediciones de la movilidad, consulte el folleto "[Comprender la MFM y la SMAIS en el contexto de las mediciones de resultados en la AME](#)".

¿Cuántos niños podían tragar y alimentarse por vía oral después de 5 años de tratamiento con risdiplam?



EL 96 %

(46 de 48 niños)

eran capaces de tragar.

EL 91 %

(42 de 46 niños)

eran capaces de alimentarse por vía oral.

EL 80 %

(37 de 46 niños)

eran capaces de alimentarse por vía oral, sin ningún soporte nutricional.

- En las evaluaciones de la deglución y la alimentación se evaluó la capacidad de los niños para comer por vía oral, así como su capacidad para tragar alimentos o bebidas.
- Se proporcionó soporte nutricional mediante una sonda de alimentación.

Se dispone de información sobre los efectos secundarios en niños del estudio **FIREFISH** tras 5 años de tratamiento con risdiplam

El estudio **FIREFISH** ya ha finalizado. Los niños han completado hasta 5 años de tratamiento.

Se notifican los efectos secundarios en la población agrupada del estudio **FIREFISH**, formada por todos los niños de la parte 1 a los que se administró la dosis alta de risdiplam y todos los niños de la parte 2.

Los efectos secundarios son problemas médicos (como sensación de mareo o náuseas) que se producen durante el estudio.

No todos los efectos secundarios están relacionados con la medicación del estudio, algunos ocurren por casualidad. Los médicos informan a Roche de todos los problemas médicos que presentan los participantes durante el estudio, para que puedan buscar patrones en todos los participantes.

Es importante saber que:

- No todos los participantes de este estudio presentaron todos los efectos secundarios enumerados.
- Los efectos secundarios pueden ser de leves a graves y variar de una persona a otra.
- Es importante tener en cuenta que los efectos secundarios que aquí se notifican proceden de este único estudio. Por lo tanto, los efectos secundarios que se muestran aquí pueden ser diferentes de los observados en otros estudios, o de los que pueden aparecer en los prospectos del medicamento.

Los efectos secundarios graves y frecuentes notificados en el estudio **FIREFISH** se enumeran en las secciones siguientes.

¿Cuáles fueron los efectos secundarios graves de FIREFISH?

Un efecto secundario se considera “grave” si pone en peligro la vida, necesita atención hospitalaria o causa problemas duraderos.

No todos los efectos secundarios graves notificados están relacionados con el medicamento en estudio.

En el estudio FIREFISH, dos niños presentaron efectos secundarios graves que los médicos del estudio consideraron relacionados con la administración de risdiplam.

Se trataba de una infección de los sacos alveolares de los pulmones (neumonía) y una falta de oxígeno en el organismo (asfixia).

Se notificaron efectos secundarios graves en 47 de 58 niños (81 %) del estudio FIREFISH.

Los efectos secundarios graves más frecuentes se notifican aquí.

Cada uno de estos efectos secundarios se notificó en al menos cuatro niños.

Efectos secundarios graves más frecuentes	¿Qué porcentaje de niños notificaron este efecto secundario?
Infección de los sacos alveolares de los pulmones (<i>neumonía</i>)	El 45 % (26 de 58 niños)
Dificultad para respirar (<i>disnea</i>)	El 10 % (6 de 58 niños)
Infección pulmonar causada por un virus (<i>neumonía vírica</i>)	El 9 % (5 de 58 niños)
Falta de oxígeno en el organismo (<i>insuficiencia respiratoria</i>)	El 7 % (4 de 58 niños)

¿Cuáles fueron los efectos secundarios de FIREFISH?

Los efectos secundarios son problemas médicos (como sensación de mareo o náuseas) que se producen durante el estudio. No todos los efectos secundarios que se notifican están relacionados con el medicamento en estudio.

Aquí se enumeran los efectos secundarios más frecuentes notificados en el estudio **FIREFISH**.

Cada uno de estos efectos secundarios se notificó en al menos 11 niños.

Efectos secundarios más frecuentes	¿Qué porcentaje de niños notificaron este efecto secundario?
Infección de nariz, garganta y senos paranasales (<i>infección respiratoria de vías altas</i>) Fiebre	El 64 % (37 de 58 niños)
Infección de los sacos alveolares de los pulmones (<i>neumonía</i>)	El 50 % (29 de 58 niños)
Inflamación de nariz y garganta (<i>nasofaringitis</i>) Diarrea	El 28 % (16 de 58 niños)
Estreñimiento	El 26 % (15 de 58 niños)
Vómitos Tos COVID-19 Goteo o congestión nasal, estornudos (<i>rinitis</i>)	El 21 % (12 de 58 niños)
Inflamación de las vías respiratorias de los pulmones (<i>bronquitis</i>) Infección de nariz, garganta y vías respiratorias (<i>infección respiratoria</i>)	El 19 % (11 de 58 niños)

¿Cuáles fueron los efectos secundarios relacionados con el tratamiento con risdiplam?

En el estudio **FIREFISH** los médicos notificaron efectos secundarios que se consideraron relacionados con risdiplam en 11 de 58 niños (el 19 %).

Aquí se enumeran los efectos secundarios más frecuentes relacionados con la administración de risdiplam.

Cada uno de estos efectos secundarios se notificó en al menos dos niños.

Efectos secundarios más frecuentes relacionados con el tratamiento con risdiplam	¿Qué porcentaje de niños notificaron este efecto secundario?
Sangre en la orina (<i>hematuria</i>)	El 5 % (3 de 58 niños)
Infección de los sacos alveolares de los pulmones (<i>neumonía</i>)	El 3 % (2 de 58 niños)
Estreñimiento	El 3 % (2 de 58 niños)
Infección urinaria	El 3 % (2 de 58 niños)
Cambio de color de la piel	El 3 % (2 de 58 niños)
Una zona plana y enrojecida de la piel que está cubierta de bultitos (<i>erupción maculopapular</i>)	El 3 % (2 de 58 niños)

¿Cómo ha ayudado este estudio a las personas con AME y a los investigadores?

En el caso de una enfermedad como la AME, para la que aún existen carencias médicas y necesidades no satisfechas de los pacientes, el estudio de posibles nuevos fármacos y diferentes modos de administración (como risdiplam, que es el único tratamiento oral aprobado para la AME) es importante para mejorar los resultados y la atención de los pacientes.

Los resultados del estudio **FIREFISH** han proporcionado a los investigadores y a los afectados por la AME una mejor comprensión de los efectos del risdiplam en niños con AME de tipo 1.

Hay estudios con risdiplam en curso y están previstos más estudios.

Los resultados ayudaron a encontrar la dosis de risdiplam más eficaz para los niños con AME de tipo 1 y conllevaron la aprobación de risdiplam por las autoridades sanitarias para el tratamiento de la AME.

Risdiplam está aprobado por la FDA estadounidense para el tratamiento de la AME en pacientes adultos y pediátricos.

Risdiplam está aprobado por la Comisión Europea para el tratamiento de la AME en pacientes con AME de tipo 1, tipo 2 o tipo 3 o con una a cuatro copias del gen *SMN2*.

Este resumen incluye los resultados de la totalidad del estudio **FIREFISH**. Los niños recibieron tratamiento con risdiplam durante un máximo de 5 años.

Estos resultados son importantes para conocer el perfil de seguridad de risdiplam en el tratamiento de niños con AME de tipo 1 con risdiplam.

Ningún estudio por sí solo puede decirlo todo sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Hable siempre con su médico antes de tomar cualquier decisión sobre su tratamiento.



Información adicional

¿Dónde puedo encontrar más información?

Puede encontrar más información sobre este estudio en los sitios web que se indican a continuación:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02913482>
- <https://forpatients.roche.com/en/trials/muscle-and-peripheral-nerve-disease/sma/investigate-safety--tolerability--pk--pd-and-efficacy-of-ro70340.html>

El título completo de este estudio es el siguiente: Estudio multicéntrico, sin enmascaramiento y de dos partes para investigar la seguridad, tolerabilidad, farmacocinética, farmacodinámica y eficacia de RO7034067 en niños con atrofia muscular espinal de tipo 1.

El estudio se llama "**FIREFISH**".

El número de protocolo de este estudio es: BP39056.

El identificador ClinicalTrials.gov de este estudio es: NCT02913482.

El número EudraCT para este estudio es: 2016-000778-40.

Si usted o su hijo/a han participado en este estudio y tienen alguna pregunta sobre los resultados, hable con su médico.

Si tiene otras preguntas, póngase en contacto con un representante de su oficina local de Roche.

Dirección del promotor de este ensayo:

F. Hoffmann-La Roche, Grenzacherstrasse 124, CH-4070, Basel, Suiza

En los documentos anteriores se resumen los resultados del estudio **FIREFISH** después de que los niños completasen 1 año y 2 años de tratamiento con risdiplam.

Haga clic [aquí](#) para ver el resumen de 1 año.

Haga clic [aquí](#) para ver el resumen de 2 años